

## INTRODUCCIÓ

L'Alzheimer és una malaltia neurodegenerativa que lidera les malalties de demència i que afecta aproximadament 29 milions de persones arreu del món. El fet que l'esperança de vida està augmentant a la majoria de països i que l'edat és el major factor de risc per l'Alzheimer provoca un augment progressiu del nombre d'afectats per l'Alzheimer.

Els mecanismes moleculars que provoquen la malaltia encara no estan totalment clars. De totes maneres, s'ha vist que l'acumulació i l'agregació del pèptid  $\beta$ -amiloide en plaques senils porten a una mort neuronal, especialment de les neurones colinèrgiques, la qual cosa afecta a capacitats cognitives com la memòria i l'aprenentatge, entre d'altres.

Tot i l'extensa recerca arreu del món, malauradament encara no hi ha cap tractament capaç de curar la malaltia. La ciència de la salut va experimentant avenços i entre ells ha sorgit l'ús de gens amb fins terapèutics, tècnica coneguda com a **teràpia gènica**, que representa una eina prometedora per curar algunes malalties que les teràpies de fàrmacs convencionals tan sols alleugen i/o retarden la seva evolució.

Les causes multifactorials de la malaltia de l'Alzheimer ofereixen una gran varietat de possibles dianes per la teràpia gènica, incloent els **factors de creixement** i les **neprilisines**.

## OBJECTIUS

La societat, en general, té uns coneixements científics bàsics. Aquest fet, acompanyat d'altres com poden ser els fracassos que ha sofert la ciència i les doloroses conseqüències d'aquests, crea un sentiment de por als avenços que la ciència va aconseguint. En aquest pla, les noves teràpies solen ser rebutjades en un primer moment a causa del neguit i la incertesa que provoca el fet de no tenir els coneixements necessaris per entendre la naturalesa d'aquesta nova teràpia ni de disposar de resultats previs segurs i fiables.

És per aquest motiu que es considera necessària una divulgació de la teràpia gènica per tractar l'Alzheimer. És essencial que aquesta divulgació arribi a tota la societat, però en particular a:

Familiars de pacients  
d'Alzheimer

Generacions més joves,  
la joventut

Divulgació de l'ús de la  
teràpia gènica per  
tractar l'Alzheimer

Avaluació dels  
coneixements adquirits  
per part dels dos grups  
d'estudi

Mesurar el canvi d'acceptació cap aquesta nova teràpia  
prèviament i posteriorment a la consulta del tríptic

Valorar la necessitat de la divulgació científica

## CONCLUSIONS

Com demostra l'enquesta realitzada, la societat no-científica té uns coneixements mínims sobre la ciència i encara més sobre les noves teràpies que van sorgint. L'objectiu principal, per tant, era **divulgar de forma assequible** aquesta nova tècnica per tractar malalties, la **teràpia gènica**. S'observa que els punts claus que es requereixen per entendre la utilitat de la teràpia gènica per tractar l'Alzheimer (causes de l'Alzheimer, neprilisines, factors de creixement i bases de la teràpia gènica) han quedat clars a la gran majoria de les dues poblacions després de consultar el tríptic (Fig. 2 i 3).

De tota manera, tal i com era d'esperar, els **coneixements** previs de l'enquestat sobre l'Alzheimer són més elevats en els familiars de pacients d'Alzheimer (Fig. 2) mentre que pel que fa als coneixements de la teràpia gènica són superiors entre l'alumnat de batxillerat (Fig. 3).

## RESULTATS

Acceptació de la teràpia gènica

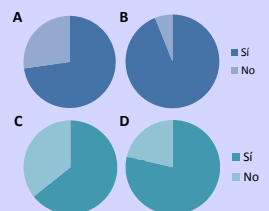


Fig 1. Predisposició a aplicar la teràpia gènica a un suposat o real familiar amb Alzheimer. Respostes dels alumnes de batxillerat abans (A) i després (B) d'haver consultat el tríptic; respostes dels familiars dels pacients abans (C) i després (D) de consultar-lo.

Coneixements sobre l'Alzheimer

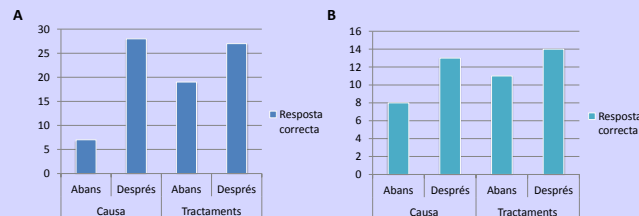


Fig 2. Coneixements sobre les bases de l'Alzheimer: la principal causa molecular que provoca i els actuals tractaments. Resultats dels alumnes de batxillerat (A); resultats dels familiars de pacients (B).

Coneixements sobre la teràpia gènica i el seu ús per l'Alzheimer

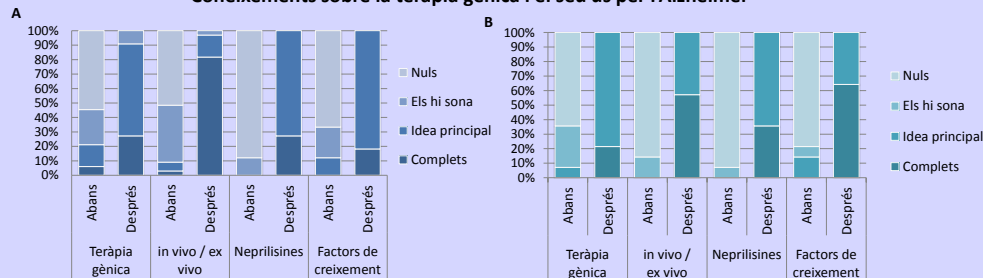


Fig 3. Coneixements sobre la teràpia gènica in vivo i ex vivo i el seu ús per tractar l'Alzheimer. Resultats dels alumnes de batxillerat (A); resultats dels familiars de pacients (B).

\*Cal esmentar que en cap cas les dades seran significativament representatives a causa del reduït nombre d'entrevistats.

## METODOLOGIA

### Tríptic

#### Alzheimer

La malaltia d'Alzheimer és la major causa de demència d'ancians i porta a una pèrdua progressiva de memòria i a una alteració en la realització de les activitats habituals.

**Què provoca l'Alzheimer?**

L'origen de la malaltia d'Alzheimer segueix sent desconegut però hi ha una sèrie d'alteracions característiques. D'entre elles, algunes de les tractables amb teràpia gènica són:

- ✓ Acumulació anòmla de fragments de pèptid  $\beta$ -amiloide que fa com a conseqüència la formació d'uns "agregats" anomenats plaques senils.
- ✓ Disminució del volum cerebral per alteració de les cèl·lules nervioses del cervell (neurones colinèrgiques), que són les responsables del manteniment de les activitats cerebrals cognitives (memòria, aprenentatge, raonament, etc.).

✗ Factors de creixement

L'agent que provoca aquesta malaltia no és un virus ni un bacteri, són simples proteïnes que, en acumular-se, provoquen la destrucció de les cèl·lules nervioses.

**Com es tracta l'Alzheimer?**

Actualment encara no hi ha un tractament que sigui capaç de curar la malaltia, però sí és possible alleugerir i retardar els símptomes amb alguns fàrmacs que ja estan en el mercat.

#### Teràpia gènica

La teràpia gènica consisteix en la transferència de material genètic (gens) a cèl·lules o teixits per prevenir o curar malalties.

Per exemple, si una malaltia està causada per manca d'un gen, aquest s'introdueix artificialment dins el pacient amb la finalitat de mantenir-lo dins l'organisme un llarg període de temps i faci la seva funció.

**Tipus de teràpia gènica**

**In vivo:** S'introdueix el gen d'interès dins un vehicle, anomenat "vector", que serà posteriorment administrat al pacient. Aquest vector serà l'encarregat de transferir el gen d'interès al teixit adequat que aconseguirà la producció de la proteïna necessària per la millora de la malaltia.

**Ex vivo:** S'extreuen cèl·lules del teixit afectat del pacient que són tractades al laboratori, on se'hi hi introdueix el vector portador del gen terapèutic. Posteriorment, aquestes cèl·lules es reintrodueixen al pacient.

#### NEPRILISINES

Mitjançant teràpia gènica per l'Alzheimer s'intenta atacar les dues causes bàsiques que provoquen la malaltia:

- ✓ La formació de plaques senils, introduint el gen de les neprilisines.
- ✓ El funcionament de les neurones, mitjançant els factors de creixement.

La neprilina és una proteïna que degrada el pèptid  $\beta$ -amiloide i que, en els malalts d'Alzheimer, opera en menys quantitat. És per aquest motiu que s'introdueix el gen funcional de les neprilisines mitjançant teràpia gènica per ser un bon tractament per l'Alzheimer.

Les neprilisines són molècules que redueixen la quantitat d'aquest pèptid amiloide degradant-lo i que, en els malalts d'Alzheimer, opera en menys quantitat. És per aquest motiu que s'introdueix el gen funcional de les neprilisines mitjançant teràpia gènica per ser un bon tractament per l'Alzheimer.

#### FACTORS DE CREIXEMENT

Les neurones colinèrgiques necessiten els anomenats factors de creixement per dur a terme les seves funcions i per assegurar-se la seva supervivència. El factor de creixement nerviós (NGF) particularment, estimula la funció de les neurones colinèrgiques, fet que va relacionat amb una millora de la memòria i l'aprenentatge.

La pèrdua de neurones colinèrgiques és una característica típica de la malaltia d'Alzheimer. És per aquest motiu que s'introdueix a l'organisme de factors de creixement (NGF) o altres per tractar malalties neurodegeneratives com és el cas de l'Alzheimer, mitjançant una proteïna de la degeneració de les cèl·lules.

NGF → Funcions → Supervivència → Memòria → Aprenentatge → Alzheimer

#### Eficàcia ja comprovada en:

- ✓ Batales
- ✓ Altres
- ✓ Pacients

S'està començant a estudiar en humans.

### Realització d'enquestes

Alumnes de 1r de  
batxillerat de  
l'I.E.S. Felanitx,  
Mallorca  
n=33

Familiars de  
pacients malalts  
d'Alzheimer  
n=14